

Prosensa inizia la sottomissione dell’NDA alla FDA per la molecola per l’exon skipping drisapersen per il trattamento della Distrofia Muscolare di Duchenne

Leiden, Olanda, Ottobre 10, 2014 (GLOBE NEWSWIRE) -- Prosensa Holding N.V. (NASDAQ: RNA) la company biofarmaceutica focalizzata sulle terapie di modulazione dell’RNA per le malattie rare con elevati bisogni non soddisfatti, ha annunciato oggi di aver iniziato il processo di sottomissione alla statunitense Food and Drug Administration (FDA) di una richiesta di autorizzazione per una New Drug Application (NDA) per la sua principale molecola candidata per l’exon skipping drisapersen per il trattamento della Distrofia muscolare di Duchenne (DMD). La molecola ha ricevuto lo "status di Fast Track" dall’FDA che l’ha resa eleggibile per una “rolling review” dell’NDA e a giugno 2013 ha ricevuto anche la designazione di "Breakthrough Therapy".

Hans Schikan, CEO di Prosensa, ha dichiarato: “L’inizio della sottomissione della NDA per drisapersen rappresenta il culmine di oltre 12 anni di lavoro focalizzati nel rendere opzioni terapeutiche disponibili per i pazienti DMD a livello globale e migliorare la vita dei ragazzi con questa devastante malattia neuromuscolare dell’infanzia. Abbiamo lavorato a stretto contatto con le associazioni di pazienti, i ricercatori e i clinici nel corso del percorso di sviluppo del nostro portfolio costituito da sei molecole per il trattamento di popolazioni diverse di pazienti DMD e rendiamo omaggio a tutti coloro che fanno parte della comunità DMD, in particolare i ragazzi e le loro famiglie che ci hanno aiutato a raggiungere questo momento. Ci aspettiamo di completare il processo di sottomissione prima della fine dell’anno e siamo sulla strada per la sottomissione di una domanda di autorizzazione per una approvazione condizionale alla commercializzazione con l’EMA all’inizio del 2015”.

La “Safety and Innovation Act (FDASIA)” dell’FDA del 2012 prevede un percorso regolatorio di approvazione accelerata, progettato per velocizzare lo sviluppo e la disponibilità di farmaci per patologie gravi in grado di fare fronte a un bisogno medico non soddisfatto in base a se questo ha un effetto su un endpoint surrogato o un endpoint clinico intermedio che potrebbe ragionevolmente predire un beneficio clinico.

Il Dr. Giles Campion, Chief Medical Officer and Senior Vice-President R&D di Prosensa ha spiegato “Per raggiungere questo punto decisivo nella storia di Prosensa, più di 300 pazienti hanno partecipato agli studi clinici con drisapersen in oltre 50 siti in 25 paesi. Solo lo scorso mese abbiamo pubblicato lavori scientifici nelle riviste Lancet Neurology, e PLOS ONE, e iniziato un programma di ri-dosaggio di drisapersen sia negli Stati Uniti che in Europa. Questa settimana presenteremo 12 presentazioni al congresso del “World Muscle Society” a Berlino. Questo considerevole corpo di lavoro globale sottolinea il nostro impegno scientifico e gli investimenti significativi fatti nella comprensione e nello sviluppo di trattamenti per la DMD”.

Traduzione a cura dell’Ufficio scientifico di Parent Project onlus.